

EMA/663763/2014  
EMA/H/C/003771

## Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

---

### Rixubis

nonakog gamma

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Rixubis. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Rixubis.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Rixubis należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

### Co to jest produkt Rixubis i w jakim celu się go stosuje?

Produkt Rixubis jest lekiem stosowanym w leczeniu krwawień i zapobieganiu ich epizodom u pacjentów z hemofilią B, dziedzicznym zaburzeniem krzepnięcia krwi wynikającym z braku czynnika IX. Może on być stosowany u pacjentów w każdym wieku, zarówno doraźnie, jak i przewlekłe. Lek Rixubis zawiera substancję czynną nonakog gamma.

### Jak stosować produkt Rixubis?

Lek Rixubis wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza, a leczenie powinno zostać rozpoczęte pod nadzorem lekarza z doświadczeniem w leczeniu hemofilii.

Lek on dostępny w postaci proszku i rozpuszczalnika, które miesza się w celu sporządzenia roztworu do wstrzykiwań dożylnych. Dawka i częstotliwość podawania leku są zależne od tego, czy lek jest stosowany w leczeniu krwawień, czy w ich zapobieganiu, a także od postaci hemofilii, nasilenia i umiejscowienia krwawienia oraz od wieku i stanu zdrowia pacjenta. Więcej informacji znajduje się w charakterystyce produktu leczniczego (także część EPAR).

Po odpowiednim przeszkoleniu pacjenci lub osoby opiekujące się nimi mogą podawać lek Rixubis samodzielnie. Szczegółowe informacje znajdują się w ulotce dla pacjenta.

## **Jak działa produkt Rixubis?**

U pacjentów z hemofilią B występuje niedobór czynnika IX, niezbędnego w prawidłowym procesie krzepnięcia. Ten niedobór powoduje problemy z krzepnięciem krwi, takie jak krwawienia w stawach, mięśniach i narządach wewnętrznych. Substancja czynna leku Rixubis, nonakog gamma, jest wersją ludzkiego czynnika IX, sprzyjającą krzepnięciu krwi w ten sam sposób. Z tego względu lek Rixubis może zastępować brakujący czynnik IX, co umożliwia tymczasowe opanowanie zaburzeń krzepnięcia.

Substancja nonakog gamma nie jest pozyskiwana z krwi ludzkiej, ale produkowana metodą znaną jako technologia rekombinacji DNA. Jest ona wytwarzana przez komórki chomika, do których wprowadzono gen (DNA) umożliwiający produkcję ludzkiego czynnika krzepnięcia.

## **Jakie korzyści ze stosowania produktu Rixubis zaobserwowano w badaniach?**

Korzyści ze stosowania leku Rixubis w zapobieganiu epizodom krwawienia i ich leczeniu wykazano w trzech badaniach głównych z udziałem pacjentów z umiarkowaną lub ciężką postacią hemofilii B. W żadnym z tych badań nie porównano skuteczności leku Rixubis bezpośrednio z innym lekiem. Skuteczność w zatrzymywaniu krwawienia zmierzono z użyciem standardowej skali, w której „doskonała” skuteczność leku oznaczała całkowite ustąpienie bólu i krwawienia po podaniu pojedynczej dawki leku, a „dobra” — złagodzenie bólu i oznak choroby po podaniu pojedynczej dawki leku, jednak z możliwą koniecznością podania dalszych dawek w celu całkowitego ich ustąpienia.

W pierwszym badaniu z udziałem 73 pacjentów w wieku od 12 do 59 lat lekiem Rixubis leczono 249 epizodów krwawienia. Skuteczność leczenia w zatrzymywaniu epizodów krwawienia oceniono na doskonałą w 41% przypadków i dobrą w dalszych 55%. W odniesieniu do zapobiegania krwawieniom średnia częstość krwawień podczas leczenia wynosiła 4,26 krwawień na rok w porównaniu z 17 krwawieniami na rok przed włączeniem do badania. W drugim badaniu z udziałem 23 dzieci w wieku od niecałych 2 do niemal 12 lat, u których wystąpiło 26 krwawień w czasie trwania badania: skuteczność leczenia epizodów krwawienia oceniono na doskonałą w 50% przypadków i dobrą w dalszych 46%. Średnia częstość krwawień zmniejszyła się z 6,8 do 2,7 krwawień na rok. W trzecim badaniu lek Rixubis podano 14 pacjentom poddawanych zabiegom chirurgicznym. Leczenie spowodowało, że utrata krwi podczas zabiegu była na poziomie oczekiwanym u pacjentów bez hemofilii B.

Ocena tych badań pokazała również, że lek Rixubis był dystrybuowany w organizmie podobnie jak inny zatwierdzony produkt z czynnikiem IX.

## **Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Rixubis?**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Rixubis (mogące wystąpić u 1 na 10 osób) to: dysgeuzja (zaburzenia smaku) i ból kończyn. Rzadko mogą wystąpić reakcje nadwrażliwości (alergie) obejmujące obrzęk naczynioruchowy (obrzęk tkanki podskórnej), pieczenie i kłucie w miejscu wstrzyknięcia, dreszcze, rumienienie się, swędząca wysypkę, ból głowy, pokrzywkę, niedociśnienie (niskie ciśnienie krwi), uczucie zmęczenia lub niepokoju, nudności (mdłości) lub wymioty, częstoskurcz (przyspieszone bicie serca), uczucie ucisku w klatce piersiowej, świszczący oddech i mrowienie. W niektórych przypadkach reakcje te mogą przyjąć ciężką postać (anafilaksja) i mogą mieć związek z groźnymi spadkami ciśnienia krwi. Pełny wykaz działań niepożądanych związanych ze stosowaniem leku Rixubis znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Leku Rixubis nie należy stosować u pacjentów z nadwrażliwością (alergią) na nonakog gamma bądź którykolwiek składnik leku lub u których stwierdzono reakcje alergiczne na białka chomika.

### **Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Rixubis?**

Komitet ds. Produktów Leczniczych Stosowanych u Ludzi (CHMP) Agencji uznał, że korzyści płynące ze stosowania produktu Rixubis przewyższają ryzyko, i zalecił jego dopuszczenie do stosowania w UE. Komitet uznał, że wykazano skuteczność leku Rixubis w zapobieganiu epizodom krwawienia i ich leczeniu u osób dorosłych i dzieci z hemofilią B, a także w umożliwianiu bezpiecznego przeprowadzenia zabiegu chirurgicznego. Profil bezpieczeństwa stosowania produktu uznano za dopuszczalny, a korzyści za przewyższające ryzyko.

### **Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Rixubis?**

W celu zapewnienia możliwie najbezpieczniejszego stosowania produktu Rixubis opracowano plan zarządzania ryzykiem. W oparciu o ten plan w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta dotyczących produktu Rixubis zawarto informacje dotyczące bezpieczeństwa, w tym odpowiednie środki ostrożności obowiązujące personel medyczny i pacjentów.

Więcej informacji znajduje się w [streszczeniu planu zarządzania ryzykiem](#).

### **Inne informacje dotyczące produktu Rixubis:**

W dniu 19 grudnia 2014 r. Komisja Europejska przyznała pozwolenie na dopuszczenie produktu Rixubis do obrotu ważne w całej Unii Europejskiej.

Pełne sprawozdanie EPAR i streszczenie planu zarządzania ryzykiem dotyczące produktu Rixubis znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Rixubis należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Data ostatniej aktualizacji: 01.2015.